



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18 de setembro de 2020
EMA/529866/2020
EMA/H/C/5004

Retirada do pedido de Autorização de Introdução no Mercado para Upkanz (deferriprona)

A Apotex B.V. retirou o seu pedido de autorização de introdução no mercado do Upkanz para o tratamento da neurodegenerescência associada à pantotenato quinase.

A empresa retirou o pedido em 10 de agosto de 2020.

O que é o Upkanz e qual a utilização prevista?

O Upkanz foi desenvolvido como um medicamento para o tratamento da neurodegenerescência associada à pantotenato quinase (*pantothenate kinase-associated neurodegeneration*, PKAN), uma doença hereditária rara que provoca lesões cerebrais crescentes e pode levar a patologias como distonia (movimentos musculares não controlados), parkinsonismo e demência. Os primeiros sinais da doença desenvolvem-se na infância.

O Upkanz contém a substância ativa deferriprona e iria ser disponibilizado na forma de um líquido para tomar por via oral.

O Upkanz foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 27 de junho de 2018 para o tratamento da neurodegenerescência com acumulação cerebral de ferro. Pode obter informações adicionais sobre a designação de medicamento órfão no sítio da internet da Agência: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Como funciona o Upkanz?

Nos doentes com PKAN, há uma acumulação de ferro em zonas do cérebro, incluindo as que estão envolvidas no controlo do movimento. Esta quantidade excessiva de ferro provoca danos. A deferriprona, a substância ativa do Upkanz, é um quelante do ferro, o que significa que se liga ao ferro no organismo. Esta ação impede que o ferro cause danos e permite a sua remoção do organismo, principalmente na urina. Prevvia-se que a deferriprona entrasse no cérebro e ajudasse a impedir a acumulação de ferro nas células do cérebro, reduzindo assim as lesões cerebrais.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?

A empresa apresentou os resultados de um estudo principal que incluiu 89 doentes com 4 ou mais anos de idade com PKAN. O estudo comparou as alterações na gravidade da distonia nos doentes que receberam o Upkanz com os doentes que receberam placebo (um tratamento simulado).

Qual o estado de adiantamento do processo de avaliação do pedido quando este foi retirado?

O pedido foi retirado depois de a Agência Europeia de Medicamentos ter avaliado as informações fornecidas pela empresa e formulado perguntas para a empresa. A empresa não tinha ainda respondido à última ronda de perguntas quando retirou o pedido.

Qual era a recomendação da Agência no momento da retirada?

Com base na análise dos dados e da resposta da empresa às perguntas da Agência, no momento da retirada, a Agência tinha algumas questões, sendo de parecer que o Upkanz não podia ser autorizado para o tratamento da PKAN. Em particular, a Agência receava que o estudo principal não tivesse demonstrado de forma clara a eficácia do medicamento.

Por conseguinte, no momento da retirada, a Agência considerava que, devido à falta de comprovação da eficácia, os benefícios do Upkanz não eram superiores aos seus riscos.

Quais as razões invocadas pela empresa para retirar o pedido?

Na [carta](#) a notificar a Agência da retirada do pedido de autorização, a empresa declarou que, na sequência da transferência do medicamento para outra empresa, o seu desenvolvimento e comercialização estavam a ser reavaliados.

Esta retirada afeta os doentes incluídos em ensaios clínicos ou programas de uso compassivo em curso?

A empresa informou a Agência de que não existem consequências para os doentes incluídos em ensaios clínicos ou em programas de uso compassivo com o Upkanz.